



CHAMBRE DES COMMUNES  
HOUSE OF COMMONS  
CANADA

## Comité permanent de la santé

---

HESA



NUMÉRO 085



1<sup>re</sup> SESSION



41<sup>e</sup> LÉGISLATURE

---

TÉMOIGNAGES

**Le jeudi 2 mai 2013**



**Présidente**

Mme Joy Smith



## Comité permanent de la santé

Le jeudi 2 mai 2013

• (1530)

[Traduction]

**La présidente (Mme Joy Smith (Kildonan—St. Paul, PCC)):**  
La séance est ouverte.

Je vous souhaite à tous la bienvenue.

Nous accueillons aujourd'hui M. David Lee, directeur, Bureau de la modernisation des lois et des règlements, Direction des politiques, de la planification et des affaires internationales, Direction générale des produits de santé et des aliments. Oh là là! Tout un titre, monsieur Lee, et il est bien mérité.

Nous accueillons aussi par téléconférence, Mme Wong-Rieger, présidente-directrice générale de l'Organisation canadienne des maladies rares. Elle est avec nous depuis Genève.

Nous sommes très honorés de vous avoir avec nous.

Je vais demander à Mme Wong-Rieger de commencer.

Madame, vous avez 10 minutes pour faire votre exposé, puis M. Lee prendra le relais. Est-ce que vous nous entendez bien, madame Wong-Rieger?

**Mme Durhane Wong-Rieger (présidente-directrice générale, Organisation canadienne des maladies rares):** Oui, et je vous remercie. Je vous remercie en particulier de me donner l'occasion de témoigner par téléconférence.

**La présidente:** Vous pouvez commencer. Nous avons hâte d'entendre ce que vous avez à nous dire.

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Si j'ai bien compris, la discussion porte sur les innovations technologiques et le traitement des maladies rares. J'aimerais vous parler de quelques innovations et technologies qui constituent pour nous une véritable révolution dans le traitement des maladies rares et, bien sûr, de leur présence ou disponibilité et de leur utilisation, en particulier au Canada. Je pense que le Canada excelle dans certains domaines, que le gouvernement fédéral joue un très grand rôle dans certains, et qu'il pourrait faire beaucoup mieux dans d'autres.

Parlons tout d'abord de la génétique. Les recherches indiquent qu'environ 80 p. 100 des maladies rares sont liées à la génétique. Le Canada fait partie à l'heure actuelle des chefs de file dans ce genre de recherches. Cela remonte assurément à la période où les chercheurs tentaient d'identifier tous les gènes du génome humain. Le Canada s'est doté depuis d'une grande variété d'outils technologiques pour la recherche, et aussi d'un vaste réseau de laboratoires.

Le hic, à mon avis, c'est que nous n'avons pas réussi à mettre à profit ces connaissances pour effectuer du dépistage et ainsi pouvoir identifier les personnes, du nouveau-né à l'ainé, qui peuvent être porteuses d'un gène défectueux, et mettre en place des programmes pour prévenir le mal ou pour traiter de manière proactive ces maladies.

Je pense, en outre, que la recherche et développement peut nous aider à comprendre les mécanismes causals de ces maladies rares. Quels mécanismes sous-tendent leur apparition? Le Canada, encore une fois, fait assurément partie des chefs de file dans ce domaine, notamment dans la foulée du financement accordé récemment aux IRSC et à Génome Canada, et plus récemment encore à la médecine personnalisée.

Le défi consiste pour nous, encore une fois, à utiliser le fruit de ces recherches pour mettre au point des traitements qui reposent sur nos connaissances de ces mécanismes causals. Le Canada n'a pas vraiment investi autant dans cette étape du processus et n'en a pas vraiment fait une priorité. Le hic ici est que nous savons comment fonctionnent ces maladies, mais que nous ne savons pas comment les traiter.

Le Canada commence à... David Lee parlera sans doute abondamment de ce sujet. C'est en grande partie grâce à David, et à Santé Canada, que nous sommes en train de mettre au point un très bon cadre réglementaire pour l'évaluation et la surveillance continue des médicaments, des appareils et des thérapies génétiques, y compris les thérapies [Note de la rédaction: inaudible] au Canada. Le défi pour nous se situe encore une fois du côté de l'application, c'est-à-dire qu'il faut s'assurer que les patients peuvent utiliser ces technologies novatrices de manière sécuritaire et contrôlée, et bien sûr, qu'elles sont offertes partout au pays.

Par ailleurs, bien que nous ayons commencé à prendre des mesures à l'égard de la pharmacovigilance, la surveillance après la mise en marché, c'est très loin d'être suffisant, surtout si on tient compte de la complexité de bon nombre des thérapies. Il semble qu'on soit encore très hésitant au Canada à utiliser les innovations que nous avons, en quelque sorte, mises au point et qui sont à notre portée. Les défis sont nombreux à cet égard, parce que nous vivons dans un environnement très décentralisé et que ce sont les provinces et d'autres administrations qui, au bout du compte, sont responsables de rendre ces thérapies accessibles, du point de vue de l'achat et du coût, et aussi, d'assurer la gestion et la surveillance de leur utilisation.

C'est ici à mon avis que, du point de vue des patients, nous aimerions voir le gouvernement fédéral jouer un rôle mobilisateur. Le gouvernement fédéral et Santé Canada seraient à même de jouer un très grand rôle. Il ne s'agit pas pour eux nécessairement de prendre en charge les thérapies ou leur surveillance directe, mais de jouer un rôle mobilisateur, comme ils l'ont fait dans certains cas, et de fournir aux provinces, par exemple, des lignes directrices nationales, etc. Si je me souviens bien, les provinces ont réclamé cela à maintes reprises, alors même au niveau fédéral, le gouvernement peut jouer un rôle beaucoup plus important, un rôle beaucoup plus directif.

Je pense que ce qui nous inquiète aussi au sujet des innovations c'est de savoir quoi faire des thérapies utilisées à l'heure actuelle.

● (1535)

Je crois que le Canada accuse un grand retard par rapport à d'autres pays pour ce qui est d'approuver des médicaments utilisés pour un usage non conforme à l'étiquette qui ont démontré leur efficacité avec le temps et qui sont indiqués pour soigner des maladies rares. Il est vraiment très difficile au Canada de les intégrer au cadre réglementaire pour obtenir un usage conforme à l'étiquette, sécuritaire et recommandé. On continue donc d'utiliser ces médicaments au Canada pour un usage non conforme à l'étiquette, alors que dans d'autres pays, leur usage est conforme à l'étiquette et réglementé.

L'un des inconvénients ici n'est pas seulement que nous n'avons pas la bonne information sur son efficacité et son utilisation sécuritaire, mais aussi que le coût du médicament n'est pas remboursé, parce qu'il ne s'agit pas d'une thérapie conforme à l'étiquette.

Santé Canada pourrait, encore une fois, jouer ce rôle. Je pense qu'on en est conscient et qu'il faut simplement repenser le tout. Quand on sait qu'environ 50 p. 100 des médicaments utilisés par les Canadiens pour traiter une maladie rare le sont pour un usage non conforme à l'étiquette, il devient très urgent d'agir. Cela veut dire qu'il n'y a pas de surveillance réglementaire de ces médicaments, qu'ils ne sont pas assujettis à une gestion précise, et que bon nombre sont remboursés de façon aléatoire.

Un autre secteur où nous jouons un rôle de premier plan à l'heure actuelle est celui des médicaments de réhabilitation. Il s'agit en fait de prendre des médicaments déjà sur le marché ou déjà prêts et dans bien des cas de pouvoir les utiliser aussi pour traiter des maladies rares, en se basant sur des mécanismes similaires. En ce qui a trait aux risques, bien sûr, comme ces médicaments sont déjà approuvés et sont déjà utilisés, il devrait être beaucoup plus rapide et moins coûteux de les rendre accessibles pour traiter les maladies rares.

Nous souhaiterions voir le Canada jouer un rôle voulu dans ce secteur, notamment parce que nous sommes en train de devenir un chef de file dans la recherche sur les médicaments de réhabilitation, encore une fois grâce au rôle de premier plan joué par les IRSC, par Génome Canada, et par nos universités et nos cliniques. Il nous incombera ensuite de trouver une façon de les commercialiser rapidement pour pouvoir les offrir aux patients.

Il faut aussi aborder la question des médicaments qui sont déjà sur le marché, souvent pour traiter des maladies rares, et qui pourraient servir à d'autres usages. Lorsqu'on découvre que d'autres maladies ont des mécanismes similaires à ces maladies, peut-on approuver rapidement ces médicaments pour les patients sans avoir à refaire tous les essais cliniques requis à l'origine?

Nous sommes très emballés de voir que le Canada semble vouloir s'imposer ici. On examine le cadre réglementaire dans le but de

devenir, en quelque sorte, un chef de file dans ce domaine, lorsqu'il sera en place, et nous espérons que ce sera très bientôt. À vrai dire, je pense que Santé Canada, à l'heure actuelle, utilise les pratiques exemplaires disponibles sur la planète et les intègre aux siennes. On regarde aussi vers l'avenir: où en seront demain les médicaments pour les maladies rares, les médicaments orphelins, et à quoi ressembleront-ils?

Nous sommes assurément un chef de file, comme je l'ai mentionné, dans la réhabilitation des médicaments, mais aussi dans les médecines personnalisées, qui sont en liens très étroits avec les médicaments orphelins, les médicaments pour les maladies rares.

Il est très emballant pour nous de constater les progrès réalisés par le Canada en quelques années à peine dans le domaine des technologies et de l'innovation liées aux maladies rares. Nous sommes rapidement en train de devenir, comme le reconnaissent aussi les autres pays je crois, un chef de file dans ce domaine.

Je pense que nous sommes très bien placés entre l'Europe et les États-Unis, et que de part et d'autre, on ne regarde pas le Canada seulement comme un simple acteur, pour ainsi dire, mais bien comme un bâtisseur de ponts, et même dans certains cas, comme un meneur.

En terminant, j'aimerais ajouter que ce qui nous manque vraiment au Canada pour profiter pleinement de nos innovations technologiques, c'est une stratégie en matière de maladies rares. En Europe, l'Union européenne a confié à chacun de ses pays le mandat de mettre en place une stratégie en matière de maladies rares d'ici 2014. Chaque pays s'y emploie.

Le Canada doit faire de même, sans quoi nous ne pourrions pas tirer pleinement profit des innovations, à tout le moins, pas de manière cohérente; nous ne pourrions pas en tirer le maximum, comme nous sommes à même de le constater, et certainement pas de le faire de manière rentable.

Il faudrait notamment mettre en place des centres d'excellence, où d'éminents chercheurs et cliniciens pourront, d'une part, s'occuper de fournir de l'information sur les diagnostics et la recherche et gérer les essais cliniques, et d'autre part, aider les autres cliniciens et chercheurs qui s'intéressent aux maladies rares ailleurs.

● (1540)

Nous avons aussi besoin d'autres éléments que seul le gouvernement fédéral est à même de bien nous fournir, notamment un programme de dépistage national des nouveau-nés et un registre national des maladies. Les registres provinciaux ne sont pas efficaces en raison du trop petit nombre. Et pour rendre certaines de ces thérapies, de ces technologies disponibles sans de bons registres...

**La présidente:** Merci, madame Wong-Rieger.

Je vous ai accordé quelques minutes de plus. Nous vous poserons aussi des questions. Merci beaucoup de votre exposé.

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Merci.

**La présidente:** Nous passons maintenant à M. Lee.

**M. David Lee (directeur, Bureau de la modernisation des lois et des règlements, Direction des politiques, de la planification et des affaires internationales, Direction générale des produits de santé et des aliments, ministère de la Santé):** Merci, madame la présidente.

Le 3 octobre 2012, la ministre de la Santé a annoncé l'élaboration d'un cadre moderne pour les médicaments orphelins — des médicaments utilisés pour traiter des maladies rares —, ouvrant ainsi la voie à la recherche et au développement de ce type de médicaments au Canada et donnant aux patients canadiens un meilleur accès aux traitements.

C'est avec joie que je me présente devant le Comité de la santé de la Chambre des communes pour parler de ce nouveau cadre réglementaire et des avantages qu'il procurera aux Canadiens atteints d'une maladie rare.

Il y a des dizaines de maladies bien connues au Canada: elles sont bien connues, car elles touchent la vie de nombreuses personnes. Il existe des organismes de bienfaisance, des associations et des groupes de soutien pour les personnes atteintes de ces maladies.

Cependant, des milliers de personnes souffrent d'autres maladies dont la plupart d'entre nous n'ont jamais entendu parler. Ces maladies sont si rares qu'elles affectent parfois moins de 12 personnes au pays, et même à l'échelle planétaire, leur nombre peut être vraiment très petit.

Bien que certaines de ces maladies rares ne touchent qu'un petit nombre de Canadiens, au total, ce sont des centaines de milliers de personnes au pays qui sont aux prises avec une maladie du genre et qui ont besoin d'un traitement efficace. Au Canada, on estime qu'une personne sur 12 est atteinte d'une maladie rare.

Il s'agit souvent de maladies de nature génétique, comme l'a mentionné Mme Wong-Rieger, qui peuvent apparaître très tôt. Elles peuvent être diagnostiquées pendant l'enfance, souvent au tout début de celle-ci. Elles sont difficiles à étudier, à traiter et à réglementer étant donné le petit nombre de cas. Sur le plan scientifique, il est difficile de déterminer comment une thérapie va fonctionner au sein d'un petit groupe et d'obtenir de l'information sur son usage sécuritaire.

Une maladie rare peut être une affection grave et chronique, c'est-à-dire qu'elle dure toute la vie. Il peut aussi s'agir d'une affection gravement débiliteuse ou, souvent, d'une affection qui met la vie en danger.

Les médicaments prometteurs en ce qui a trait au traitement des maladies rares sont souvent appelés « médicaments orphelins ». C'est un terme qui est né aux États-Unis et qui est maintenant utilisé partout dans le monde.

Actuellement, lorsqu'une personne atteinte d'une maladie rare a besoin d'un médicament orphelin qui ne se trouve pas au Canada, parce que ces médicaments ne sont pas réglementés à l'heure actuelle, son médecin, souvent un spécialiste, peut l'obtenir par l'entremise du Programme d'accès spécial de Santé Canada. Cependant, chaque fois qu'un spécialiste procède de la sorte, il doit prendre le temps de remplir par écrit une demande pour que le ministère communique ensuite avec le fabricant pour l'autoriser à vendre le médicament au patient en question. Même si cette façon de faire fonctionne, et c'est ce que l'on utilise actuellement, elle est fastidieuse et chaque décision est prise au cas par cas. Elle constitue un fardeau inutile pour le système de soins de santé.

Santé Canada a également approuvé certains médicaments orphelins en tant que drogues nouvelles en vertu du titre 8 du

Règlement sur les aliments et drogues. Il s'agit de la disposition d'examen habituelle pour les médicaments commercialisés courants. Même si cette méthode s'est avérée utile par le passé, elle a ses limites puisqu'elle n'a pas été conçue pour surmonter les difficultés propres aux maladies rares. Elle n'accorde pas d'attention aux exigences de données, par exemple, qui seraient adaptées dans un nouveau cadre.

Ce dont nous avons besoin, c'est d'un nouveau cadre réglementaire qui favorise la collecte de l'information nécessaire pour traiter de petits groupes de patients vulnérables, et qui est particulièrement conçu pour faciliter la mise au point et l'approbation de médicaments destinés au traitement de maladies rares, soit un cadre pour les médicaments orphelins.

Un cadre pour les médicaments orphelins permettrait aux Canadiens atteints d'une maladie rare de profiter des mêmes avantages que les patients des États-Unis et de nombreux pays européens où de tels cadres sont déjà en place, les plaçant du même coup sur un pied d'égalité. Ces pays ont maintenant acquis beaucoup d'expérience dans les maladies rares et leurs enseignements nous sont très utiles.

Le cadre pour les médicaments orphelins accordera une certaine souplesse à Santé Canada au moment d'approuver de tels médicaments, en reconnaissant que la complexité des maladies et le nombre peu élevé de patients peuvent accroître l'incertitude.

Premièrement, nous harmonisons notre système avec ceux de nos homologues de confiance à l'étranger, l'Agence européenne des médicaments et la Food and Drug Administration des États-Unis. Je dois dire qu'elles sont toutes deux très généreuses de leurs conseils en nous révélant ce qui a, et n'a pas, fonctionné dans leurs programmes. Toutes deux ont en place un cadre réglementaire pour les médicaments orphelins depuis plus d'une décennie, et plus de deux décennies dans le cas des États-Unis. L'harmonisation internationale des règlements permettra aux scientifiques, aux chercheurs et aux organismes de réglementation canadiens de mettre en commun des ressources de plus en plus limitées afin de nous aider à mieux comprendre ces maladies complexes et leur traitement.

● (1545)

Deuxièmement, fondé sur la gestion du cycle de vie, le cadre nous permettra également de surveiller de plus près l'innocuité et l'efficacité de ces médicaments après leur mise en marché grâce à la collecte continue de données à ce sujet. Cette approche novatrice, qui appuie l'accent qu'on met actuellement sur les activités préalables à la mise en marché, se veut un ensemble équilibré, dynamique et fluide d'interventions réglementaires qui répondront davantage aux besoins des patients tout en assurant une surveillance rigoureuse de l'innocuité des médicaments.

Nous voulons nous assurer que notre approche est axée sur le patient. Il faut que son opinion soit tenue en compte dans le processus réglementaire, de sorte qu'il ait un mot à dire au cours de la prise de décisions.

Comme le règlement proposé s'harmonisera avec les cadres internationaux, ce qui est très important, il sera commercialement concevable pour les sociétés pharmaceutiques de mettre au point et de vendre leurs médicaments au Canada. L'harmonisation internationale allège le fardeau des fabricants de médicaments et fait en sorte qu'ils savent à quoi s'attendre. Règle générale, ce qui se fait ailleurs conviendra ici aussi.

Une approche réglementaire prévisible et assortie d'exigences concrètes en matière de recherche qui procure la souplesse nécessaire pour renforcer la collaboration internationale favorise également l'essor de la recherche et de l'innovation au Canada. Nous nous efforçons de porter attention à cela dans la conception du cadre.

La transparence accrue devrait se traduire par la prise de décisions éclairées fondées sur des données probantes. Elle augmente également la confiance du public en ce qui concerne la recherche factuelle et la sécurité des participants. C'est parce que la mise en commun des résultats de la recherche accélère la recherche, favorise l'intégrité des données et renforce la responsabilité.

Surtout, le nouveau cadre profitera aux Canadiens atteints d'une maladie rare qui bénéficieront désormais d'un meilleur accès aux médicaments, nouveaux et existants, qui autrement auraient été inaccessibles ou difficiles à obtenir.

Afin de mieux comprendre l'effet que le cadre pour les médicaments orphelins produira sur les Canadiens, Santé Canada a aussi rencontré plusieurs chercheurs, cliniciens, représentants dans le domaine des maladies rares et patients. J'ai souvent travaillé de concert avec les IRSC, les Instituts de recherche en santé du Canada, ainsi qu'avec d'autres précieux collègues canadiens.

En réponse à ce que nous avons entendu, Santé Canada — avec l'appui des IRSC — a créé Orphanet. Beaucoup d'efforts ont été déployés à cette fin. Il s'agit d'une importante ressource en ligne qui offre un répertoire de renseignements spécialisés pour les personnes atteintes d'une maladie rare et les fournisseurs de services de santé. On y trouve de l'information sur les cliniques spécialisées, les laboratoires médicaux, les essais cliniques et les registres. Ensemble, le nouveau cadre pour les médicaments orphelins et Orphanet faciliteront l'accès des personnes souffrant d'une maladie rare aux renseignements et aux nouveaux traitements.

En conclusion, le cadre proposé en est aux dernières étapes de sa conception et fera bientôt l'objet d'une vaste consultation publique. Les commentaires obtenus de la consultation seront intégrés dans la version définitive de la proposition.

Je vous remercie de m'avoir invité à comparaître devant le comité.

● (1550)

**La présidente:** Merci de votre présence.

Nous allons amorcer une série de questions de sept minutes.

Nous commençons par Mme Davies.

**Mme Libby Davies (Vancouver-Est, NPD):** Merci beaucoup à nos deux témoins pour leur présence, en particulier à Mme Wong-Rieger, à Genève. Il est très tard, chez vous, n'est-ce pas?

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Oui, en effet.

**Mme Libby Davies:** Je vous remercie d'être restée éveillée tard afin d'être avec nous en ce bel après-midi ensoleillé, à Ottawa.

Je constate qu'aujourd'hui, nous traitons d'un aspect très précis, celui des maladies rares, mais il n'en reste pas moins que ce sujet est lié aux questions plus générales de l'innovation. Je suis loin d'être une experte. Aucun d'entre nous n'est expert des maladies rares, je dirais, alors l'information que nous avons reçue aujourd'hui nous aide à comprendre que bien des gens sont atteints de maladies rares dans notre pays.

Je veux porter mon attention sur le nouveau cadre qui sera instauré. Je remarque que vous n'avez pas parlé de l'innocuité des médicaments. C'est un aspect sur lequel nous nous penchons sérieusement. Nous avons eu divers exemples, récemment, concernant les médicaments. Nous avons aujourd'hui un avertissement de

Santé Canada, après que nous ayons été informés du problème par les Américains, il y a un mois environ. C'est un problème énorme. Je veux savoir s'il est juste que, pour certaines des maladies rares, de nombreux médicaments ne sont pas homologués, comme Mme Wong-Rieger l'a dit. Je ne connais pas tous les détails de cela, mais on dirait qu'il ne s'agit pas d'un régime fantastique et qu'il est nettement préférable que les médicaments soient homologués et qu'ils fassent l'objet d'une bonne réglementation.

Pour bon nombre de ces médicaments, les problèmes pourraient s'accroître, notamment, en ce qui concerne les effets indésirables, l'innocuité, etc. Ai-je raison de croire que les risques sont plus élevés que chez les personnes atteintes de maladies plus courantes? Je ne sais trop comment les appeler.

**La présidente:** Monsieur Lee.

**M. David Lee:** Merci, madame la présidente.

Sur le plan de l'innocuité, c'est un aspect vraiment très important du nouveau cadre pour les médicaments orphelins. Étant donné que le Règlement sur les aliments et drogues n'est pas très nouveau, nous avons sur le marché des moyens de suivre et de cerner ce qui se passe sur le marché, et ce, essentiellement grâce aux rapports sur les effets indésirables. Il y a aussi l'application et le Programme d'accès spécial. Le fabricant et le médecin doivent en faire rapport si la transaction mène à un incident. Donc, si le médicament orphelin est vendu au cas par cas, nous le voyons. Le problème, c'est que la perspective n'a pas la portée de la population. Le nouveau cadre serait nettement plus délibéré. On assurerait la sécurité en essayant de voir et de comprendre ce qu'il faut suivre en cas de préoccupation particulière. Si vous commencez à détecter quelque chose, vous pouvez réaliser des tests et des études supplémentaires pour vous assurer de bien suivre ce qui se produit avec le médicament, entre autres au moyen d'études de l'utilisation. Vous pouvez donc savoir s'il est utilisé à d'autres fins que celles qui sont indiquées sur l'étiquette, ce qui signifie que les médecins le prescrivent, même si nous n'avons pas terminé la démonstration de son utilisation à cette fin.

En gros, il s'agirait d'une façon bien plus raffinée de faire le suivi des questions de sécurité. Je ne dis pas qu'on y porte moins attention avant la mise en marché. Nous voulons vraiment nous assurer que le médicament...

● (1555)

**Mme Libby Davies:** Est-ce qu'il va réellement y avoir une surveillance de la sécurité des médicaments après leur mise en marché, avec ce cadre? Est-ce inclus dans le cadre?

**M. David Lee:** Absolument.

**Mme Libby Davies:** D'accord. Merci. Je n'ai pas vu de précision là-dessus dans le mémoire. On y faisait peut-être à peine allusion.

Alors, il est certain que cela va en faire partie?

**M. David Lee:** Très certain. Quand nous parlons de la gestion du cycle de vie, nous parlons vraiment du suivi du médicament, tant sur le plan de la sécurité que sur celui des bienfaits.

Nous amorçons le suivi dès que le médicament est appliqué à des humains. Dès les premières étapes des essais cliniques, nous commençons à déterminer comment nous allons exercer notre vigilance. C'est le nouveau mécanisme. Le mécanisme antérieur est un peu plus passif: on attend qu'il se produise quelque chose et qu'on le signale.

**Mme Libby Davies:** Pourquoi a-t-il fallu tant de temps? Nous savons qu'aux États-Unis, ils ont ce genre de programme depuis 10 ans. Je me demande simplement pourquoi le Canada traîne tant de l'arrière.

**M. David Lee:** Nous tirons des leçons des propositions américaines. En réalité, au sein de Santé Canada, nous profitons aussi de bien des outils qui ont été conçus aux États-Unis, comme les stratégies d'évaluation et d'atténuation des risques — les plans de suivi du marché et de vigilance. Nous les recevons, et nous en recevons de l'Europe. Santé Canada est partie à une convention sur la pharmacovigilance relevant de la International Conference on Harmonization. Nous l'avons en grande partie mise en oeuvre. Il s'agit maintenant d'appliquer la réglementation proposée. C'est ce qui se produirait concernant les médicaments orphelins. Il serait possible d'exiger un plan de suivi de l'innocuité des médicaments sur le marché, en application de votre licence. L'entreprise serait tenue par la loi de suivre les médicaments et de chercher activement les signaux qui indiquent qu'un suivi est nécessaire.

**Mme Libby Davies:** J'ai une autre question brève.

Nous étudions l'innovation. J'imagine que l'abordabilité fait partie des aspects novateurs de cette question.

Pouvez-vous nous donner une idée des coûts de certains de ces médicaments? Mme Wong-Rieger pourrait aussi nous en donner une idée. Sont-ils incroyablement coûteux? Je pense simplement aux engagements découlant des ententes sur la santé et visant l'assurance-médicaments, surtout dans les cas où les gens paient des prix astronomiques. Est-ce que l'un de vous peut nous donner une idée des prix?

**La présidente:** Il vous reste une minute.

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Dans l'ensemble, je dirais que nous reconnaissons que bon nombre de ces médicaments, parce qu'ils sont conçus pour de très petites populations de patients, peuvent correspondre à des coûts individuels très élevés. Ce n'est cependant pas toujours le cas. Soyons réalistes. Si nous pensons à tous les médicaments pour maladies rares qui font l'objet de financement, y compris certains médicaments dont vous avez entendu dire qu'ils sont très coûteux, le coût correspond quand même à 0,7 p. 100 seulement du budget public des médicaments, car les nombres sont très petits. En Europe, où la protection est nettement meilleure en ce qui concerne les médicaments servant à traiter les maladies rares, des chercheurs ont fait une excellente projection, selon laquelle, en raison des taux de développement, des nombres et de l'utilisation immédiate de ces médicaments par un grand nombre de patients atteints par les maladies rares — il n'y aura vraisemblablement pas d'augmentation continue du nombre de patients —, au plus, le coût ne serait jamais de plus de 3 à 6 p. 100 du total. C'est leur estimation.

**La présidente:** Merci, madame Wong-Rieger.

C'est maintenant le tour de M. Carrie.

**M. Colin Carrie (Oshawa, PCC):** Merci beaucoup, madame.

Je remercie les témoins de leurs très intéressantes présentations.

Je vais poursuivre dans la même veine que ma collègue. Nous étudions l'innovation technologique, et je pense que la collecte de

données, la disponibilité des données et la coopération internationale en font partie. Il est ressorti de mes conversations avec des parties prenantes que, comme l'a dit M. Lee, il peut n'y avoir que 12 personnes atteintes d'une maladie donnée au Canada. Alors comment étudiez-vous cela? Comment faites-vous?

Monsieur Lee, vous avez mentionné l'innovation technologique en ligne — Orphanet Canada. Je me demande si vous pouvez nous en dire un peu plus sur ce que c'est exactement, et nous dire si ça peut servir de modèle à d'autres initiatives. Est-ce que cette ressource en ligne permet aux patients d'y télécharger de l'information? Est-ce que les chercheurs peuvent aller y chercher de l'information? Ou bien est-ce quelque chose d'autre? Pourriez-vous nous en dire un peu plus?

**M. David Lee:** Merci, madame la présidente.

Orphanet réunit beaucoup d'information sur les maladies rares. On y trouve les problèmes de santé, les organisations de patients qui y sont liées et les essais qui ont cours. Les professionnels de la santé peuvent s'en servir, de même que les patients. Il est monnaie courante, quand on entreprend une étude, par exemple, sur une maladie rare en particulier ou sur une nouveauté d'ordre génétique, de saisir l'information dans une base de données mondiale.

Cela a commencé en France, et un nombre croissant de pays s'y sont mis, alors c'est un effort qui prend des proportions mondiales. Maintenant que le Canada le fait aussi, nous allons y saisir l'excellente recherche primaire qui se fait ici.

En ce qui concerne l'innovation, j'aimerais aussi signaler que l'un des aspects excitants du nouveau cadre proposé réside dans la réglementation des médicaments orphelins. Une fois que vous avez déterminé qu'un médicament orphelin peut servir à traiter efficacement une maladie rare, l'une des étapes suivantes est de vous adresser aux organismes de réglementation, comme l'USFDA et les autorités européennes, pour leur parler de la façon de concevoir l'essai. Il est important de discuter de votre façon de mener votre recherche et votre enquête sur le médicament, car c'est très difficile avec de si petits nombres. Nos modèles statistiques sont souvent différents, et nous devons opter pour une démarche différente. C'est dans de tels cas que, de plus en plus souvent, les deux organismes cherchent à harmoniser leurs conseils, car si vous pouvez amener le regard international à se porter sur les données relatives à une petite population, c'est bien mieux.

Le Canada est invité depuis un certain temps à participer à ces discussions, et je pense que c'est toute une occasion qui s'offre de participer. Nous serions donc partie prenante à ces discussions sur la conception novatrice et les efforts déployés pour que le volet étude du Canada soit prêt à se lancer, de concert avec nos collègues de la réglementation. Je pense que c'est donc un aspect important du cadre proposé.

• (1600)

**M. Colin Carrie:** Nous parlons du cadre, et je me demande si vous pouvez nous expliquer un peu certains des enjeux fédéraux, concernant de tels cadres. Nous avons entendu divers témoins nous dire qu'au Canada, ce sont les provinces qui sont responsables des soins de santé, que les hôpitaux font le suivi de différentes données, et que s'ils en viennent à accepter cela, ils vont communiquer de l'information au gouvernement fédéral, et qu'il y a des questions de protection de la vie privée, et ce genre de choses. Pourriez-vous nous expliquer certains des enjeux de ces cadres réglementaires et la façon dont vous concevez cela pour traverser sans encombre ce petit terrain miné — ou peut-être, ce grand terrain miné?

**M. David Lee:** Oui, j'ai effectivement appris qu'il ne faut pas avoir froid aux yeux pour se lancer dans la conception de cadres de réglementation.

Pour un cadre comme celui-ci, il faut vraiment que le fédéral prête une oreille attentive aux besoins à l'échelle du pays, car il est très vrai qu'il se passe beaucoup de choses dans les hôpitaux. Il se fait beaucoup de recherche. Souvent, il y a des patients qui sont très difficiles à diagnostiquer. Il faut de la collaboration internationale pour même savoir si la maladie est là. Puis tout à coup, vous êtes à la recherche d'un traitement.

Nous serons alors appelés à intervenir, au fédéral, mais il est question de plusieurs niveaux — des niveaux de financement. Il est très important de permettre à un petit projet de recherche de démarrer. Au début, vous ne pensez pas à la réglementation quand vous êtes dans votre laboratoire et que vous essayez d'innover et de déterminer si une thérapie fonctionnera. Mais il est très important d'aborder la question de la réglementation tôt pour éviter les ratés pendant que vous réalisez vos études. Vous pouvez commencer votre travail d'innovation, mais si vous n'entamez pas le travail qu'il faut pour amener votre médicament sur le marché, votre recherche ne donnera rien.

Je travaille avec Génome Canada et les IRSC dans le but d'aller parler aux chercheurs de ce qu'on attendra d'eux pendant qu'ils peaufinent leurs innovations. C'est un niveau de participation du fédéral qui nous demande de nous adresser à de nombreux collègues. Il peut s'agir de médecins de premier recours, de chercheurs et de médecins universitaires.

En réalité, la discussion a aussi une portée internationale. L'une des choses très intéressantes des maladies rares, c'est qu'elles suscitent beaucoup de coopération internationale. Alors nous devons entre autres nous pencher sur les besoins de nos patients, de nos chercheurs et de nos provinces, voir ce que nous pouvons tirer de ce qui se passe à l'échelle internationale, et tout conjuguer. C'est un rôle fédéral intéressant, car, comme je l'ai mentionné, quand il s'agit de conseils visant des essais — en cas d'essai général —, tous les niveaux sont touchés, mais nous donnons les conseils. Nous essayons donc de trouver des façons de le faire et d'établir un cadre, de sorte que les gens puissent se prononcer au début des discussions.

Ce n'est pas facile à concevoir, car nous n'avons pas de précédents utiles au Canada. Cependant, nos collègues de l'étranger nous aident et nous conseillent, puisqu'ils ont conçu des cadres semblables. C'est toute une tâche de conjuguer tout cela.

• (1605)

**M. Colin Carrie:** Merci.

Me reste-t-il encore un peu de temps?

**La présidente:** Il n'en reste presque plus. Environ 45 secondes.

**M. Colin Carrie:** On a mentionné l'utilisation non conforme à l'étiquette et les défis à relever au Canada, parce que le médecin peut administrer à son patient un produit dont ce n'était pas, à l'origine, l'usage prévu, mais dont on a constaté l'effet sur la maladie.

Quelles seraient les difficultés, sur le plan réglementaire, pour faire reconnaître, dans les formulaires, plus d'utilisations non conformes, à certaines fins, et, la question a été soulevée, pour rembourser peut-être les patients qui se trouvent dans cette situation?

**M. David Lee:** L'utilisation non conforme à l'étiquette est une notion très importante dans notre domaine. Les indications figurant sur l'étiquette signifient que la société pharmaceutique a prouvé à Santé Canada l'efficacité et l'innocuité du produit pour les indications

ou les allégations. C'est la raison pour laquelle elles figurent sur l'étiquette.

Ensuite, le produit peut être délivré sur ordonnance, et nous, à Santé Canada, nous ne disons pas aux médecins comment prescrire tel ou tel médicament. Ils doivent...

**La présidente:** Merci, monsieur Lee.

Merci. Vous avez largement dépassé votre temps.

Passons maintenant à Mme Fry. Elle voudra peut-être suivre cette piste.

**L'hon. Hedy Fry (Vancouver-Centre, Lib.):** Merci beaucoup, madame la présidente.

Mes questions iront dans une direction différente. Je veux parler des essais cliniques. Le nombre de sujets dans les cohortes soumises aux essais cliniques est si petit pour les maladies rares que ça donne lieu à un problème souvent soumis à mon attention.

Dans ces essais, la participation à un groupe d'expérimentation est souvent très difficile. Par exemple, deux Néo-Brunswickois peuvent devoir venir à Ottawa, pour se joindre à un groupe plus nombreux, etc. Le problème est de trouver quelqu'un qui les défraiera de leurs déplacements vers Ottawa et de leur séjour. Il y a les frais d'hôtel, etc.

Ces coûts sont souvent excessifs pour beaucoup de gens, et je me demandais si vous pouviez nous donner une idée de ce qu'ils représentent de plus dans le cas d'une maladie rare, parce qu'il s'agit vraiment d'un petit nombre de personnes qui se retrouvent dans un seul endroit. Voilà pour le premier volet.

Mme Davies a parlé de l'innocuité des médicaments. Cela devient un problème de taille pour nous, ici, au Canada. Ce que j'aime de votre idée c'est que si, grâce aux technologies nouvelles des communications, nous allons soudainement collaborer avec les États-Unis et l'Europe et que s'il s'avère que la FDA fait vraiment du meilleur travail que nous en matière d'innocuité, je serais prête à suivre ses indications sur l'innocuité de tel médicament dans telle situation. C'est génial. Nous n'avons pas, chaque fois, à réinventer la roue.

Mais il y a le problème de la diversité, vu que beaucoup de maladies rares ont une composante génétique. En raison de la diversité de la population canadienne — contrairement à celle de la population européenne, par le nombre d'ethnies, de races, et ainsi de suite, qui, comme nous le savons, possèdent en propre certains éléments d'ADN et certains gènes — et de la diversité de celle des États-Unis, mais, dans ce cas, l'information leur échappe à cause des nombreux problèmes soulevés par les assurances et la protection de la vie privée, comment nous voyez-vous contourner ces obstacles?



Enfin, dernier volet de ma question, qui peut davantage concerner l'Union européenne: M. Carrie s'est informé sur les éventuelles difficultés dans une fédération d'entités compétentes, mais je constate que l'Union européenne promulgue des lois contraignantes pour probablement une cinquantaine de pays autonomes et indépendants. Cela semble assez bien fonctionner. Peut-être pourrions-nous apprendre, nous aussi, à nous accommoder, de façon originale, de notre diversité. J'aimerais que le témoin européen réponde à cela.

En ce qui concerne les autres questions, sur la taille des cohortes, les essais cliniques et ainsi de suite, pourriez-vous, s'il vous plaît, y répondre?

**M. David Lee:** Merci.

Les essais cliniques sont un aspect central du nouveau cadre. En fait, on en discute beaucoup au niveau international.

Un certain nombre de caractéristiques seront proprement canadiennes. Il y a d'abord la géographie. Je pense qu'il est tout à fait juste de dire que la distance entre le milieu de vie des patients et le lieu de l'essai clinique sera proprement un facteur canadien. C'est l'une des raisons pour lesquelles nous avons besoin d'une bonne participation des patients et des médecins, dès le début, au moment de la conception du lieu de l'essai clinique. Nous revoyons les règlements qui s'appliquent à ces essais, pour nous assurer que la définition du lieu, par exemple, n'interdit pas des travaux et des communications virtuels.

Nous tenons une autre discussion importante avec, en grande partie, nos chercheurs sur le cancer. Ils veulent vraiment pouvoir se concentrer sur l'essentiel de l'essai et comprendre la charge que représentent la paperasse et le cycle d'innovation, sans rien négliger de l'innocuité, mais vraiment comprendre quels doivent être les éléments fondamentaux de l'essai. Nous avons des réunions pour discuter d'un parcours dans ce labyrinthe. C'est également un sujet de discussion à l'échelon international. S'il faut, dans chaque endroit où on effectue une étude, satisfaire de multiples commissions d'éthique de la recherche et, chaque fois, produire une multitude de rapports, cela peut représenter une charge énorme pour une petite équipe.

À cet égard, nous cherchons vraiment. Ce que nous trouvons est en partie formateur. Une partie est bien définie au niveau international, mais de nouvelles sciences s'intéressent à la taille des essais et sont en mesure de dire comment faire avec de petites populations, au stade de la précommercialisation, puis de la mise en marché, afin de s'assurer que certaines des hypothèses avancées avant la commercialisation, au sujet des avantages et de l'innocuité, sont bien vérifiées.

En ce qui concerne l'innocuité, de plus en plus souvent, il importe, dès que les organismes de réglementation sont alertés par un signal, que ce signal soit bien compris à l'échelle mondiale. Notre cadre propose des actualisations immédiates, que des règlements rendront obligatoires, pour que chacun soit averti de ce qui se passe à l'étranger. Pour un essai fait au Canada ou l'autorisation de vendre un produit au Canada, le système assurerait vraiment au pays la réception constante de rapports sur l'innocuité. Si, au Canada, nous sommes les premiers à nous apercevoir de problèmes d'innocuité dans des rapports de cas, nous devons rapidement mettre au courant le reste du monde aussi. Nous travaillons tous ensemble à un objectif commun.

Encore une fois, c'est un domaine où les organismes de réglementation collaborent beaucoup entre eux. Pour la désignation du moins, c'est le seul aspect, à ce que je sache, où les Américains et

les Européens utilisent un formulaire commun de demande. Pour l'innovation, c'est vraiment important.

• (1610)

**La présidente:** Peut-être pourrions-nous aussi demander à Mme Wong-Rieger ce qu'elle en pense, parce que nous sommes près de la limite de temps.

Madame Wong-Rieger

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Je suis d'accord. Je pense que ce cadre réglementaire est important pour les essais cliniques, parce que, jusqu'à maintenant, de nombreux patients à nous n'avaient pas accès tôt aux essais cliniques, parce que nous n'avions pas de désignation pour les médicaments orphelins, ce qui nous empêchait de parler en même temps avec les Canadiens. Je veux dire que les patients et les cliniciens n'en profitaient pas.

De plus, comme M. Lee l'a dit, il est très important, je pense, que beaucoup de cadres nouveaux et souples soient conçus à l'échelon international, expressément pour les maladies rares. Nous participons aussi vraiment à l'élaboration et à la conception des essais cliniques. Tout en tirant parti des petites populations de patients, nous nous assurons de bien équilibrer les avantages et les risques.

En ce moment même, je pense que nous pourrions, là où nous sommes, nous assurer de faire participer plus de patients et certainement leur permettre d'accéder plus rapidement aux traitements.

**L'hon. Hedy Fry:** Combien me reste-t-il de temps?

**La présidente:** Il n'en reste plus.

Merci, docteur Fry.

**L'hon. Hedy Fry:** À cause de cela, je n'ai pas eu de réponse sur la résolution des problèmes de compétence.

**La présidente:** Vous pourrez peut-être vous reprendre, docteur.

Monsieur Wilks.

**M. David Wilks (Kootenay—Columbia, PCC):** Madame la présidente, c'est la deuxième journée de suite que vous l'appellez docteur.

**La présidente:** Ce n'est qu'un conseil, peut-être pourriez-vous devenir médecin. Vous avez fait tout le reste.

**M. David Wilks:** J'y penserai, si je parviens à trouver 10 années de plus dans ma vie pour le faire.

De toute façon, merci beaucoup, madame la présidente, et merci aussi aux témoins.

Madame Wong-Rieger, d'après Orphanet, ceux qui souffrent de maladies rares sont psychologiquement, socialement, économiquement et culturellement vulnérables, en partie à cause de la difficulté de recevoir des soins de qualité, d'obtenir un soutien social et médical global, de profiter de communications efficaces entre les hôpitaux et les généralistes ainsi que de mener une vie indépendante et de s'intégrer professionnellement et socialement.

Pouvez-vous me dire quel pourrait être le rôle fédéral pour aplanir certaines de ces difficultés?

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Bien sûr. Ce qu'on propose à la grandeur de l'Europe, et nous aimerions certainement que ça se réalise au Canada, c'est l'idée d'une stratégie nationale. J'ai dit qu'une stratégie nationale comprendrait, par exemple, la reconnaissance, comme vous dites, de certains des défis sociaux et psychologiques et qu'elle préciserait les moyens pour les surmonter. Un autre des grands problèmes, dans ce dossier, est d'obtenir un diagnostic juste. Parfois, le diagnostic juste d'une maladie rare peut prendre de 10 à 30 ans, malgré les spécialistes qu'on trouve au Canada. Une partie de la solution, donc, consiste à sensibiliser les généralistes et les pédiatres à ces maladies, pour qu'ils en reconnaissent la possibilité, et à proposer des spécialistes vers qui ils peuvent diriger leurs patients.

Donc, encore une fois, du point de vue fédéral, il importe au plus haut point de pouvoir préconiser un cadre général qui ne se borne pas aux produits pharmaceutiques, comme vous dites si bien. Nous croyons que seul le gouvernement fédéral peut exercer cette fonction de direction.

• (1615)

**M. David Wilks:** Merci beaucoup.

Monsieur Lee, le 5 mars dernier, M. Edwards, du Structural Genomics Consortium, qui comparaisait devant le comité, a fait observer que la plus grande partie de la recherche biomédicale porte sur un très petit nombre de protéines bien connues, souvent celles pour lesquelles on dispose d'outils facilement accessibles pour leur étude.

D'après lui, les chercheurs et les organismes de financement devraient moins répugner à prendre des risques. D'après vous, l'aversion pour le risque, c'est-à-dire pour l'incertitude des avantages financiers, est-il un facteur à prendre en considération pour encourager la recherche sur les maladies rares, et Santé Canada est-il en mesure de contribuer à surmonter cette aversion en appuyant cette recherche? Pouvez-vous nous parler de certaines initiatives qui pourraient être utiles?

**M. David Lee:** Merci pour cette question.

Santé Canada est en mesure de dissiper certaines incertitudes. D'autres relèveraient d'organisations comme Génome Canada et des IRSC, qui oeuvrent sur le terrain avec les promoteurs de la recherche.

Nous sommes très attentifs à ce qui se passe dans la recherche. Nous proposons notamment le nouveau cadre aux éventuels intéressés. Nous rencontrons dès à présent les diagnosticiens de ces maladies et les chercheurs de médicaments pour les traiter — une grande partie de ce travail touche la génétique — pour essayer de comprendre leur travail. Nous essayons ainsi de dissiper des incertitudes sur les éléments à rechercher en vue de l'éventuelle présentation de rapports réglementaires. On ne veut pas que la recherche s'embourbe dans la clinique. On vise, au bout du compte, la mise en marché pour traduire les résultats de la recherche en avantage maximal pour les patients canadiens.

L'une des incertitudes que nous pouvons diminuer et qui peut provoquer une aversion pour le risque consiste à s'informer des besoins des organismes de réglementation. Quel parcours faut-il suivre pour faire correspondre les résultats de la recherche aux besoins du marché? Nous y travaillons.

En ce qui concerne l'aversion pour le risque, je pense que les organismes de réglementation reconnaissent les coûts de certains échecs, compte tenu des coûts de mise au point. Nous essayons effectivement de comprendre pourquoi nous avons besoin de données comme nous le faisons, parce qu'une partie des travaux

coûteux sont exigés pour présenter les rapports réglementaires à la FDA des États-Unis et aux Européens.

Mondialement, des équipes et des initiatives ne sont pas formées pour s'attaquer uniquement aux maladies rares. Elles essaient aussi de comprendre comment nous pouvons mieux nous concentrer sur nos besoins en données. Avec la FDA et les Européens, nous faisons partie d'un groupe qui essaie de trouver un terrain d'entente par la discussion. Des participants, de l'industrie par exemple, beaucoup d'excellents scientifiques, essaient de faire le tour de la question.

Cela ne neutralise pas complètement le risque, mais ça permet d'injecter plus d'innovation dans la recherche, une innovation susceptible d'aboutir à la mise au point de nouveaux médicaments.

**M. David Wilks:** Combien de temps reste-t-il?

**La présidente:** Environ une minute.

**M. David Wilks:** Merci.

Je me demande si vous pouvez en dire un peu plus sur ce dont parlait Mme Fry dans sa question. Pouvez-vous y revenir brièvement?

**M. David Lee:** Madame la présidente, si je peux demander cette précision, est-ce la question sur la coopération ou sur la diversité ethnique?

**L'hon. Hedy Fry:** Oui, le fait que, contrairement à l'Europe, nous avons, proportionnellement, plus d'ethnies et...

C'est ce que vous vouliez dire, monsieur Wilks?

**M. David Wilks:** Oui.

**La présidente:** Il ne reste plus beaucoup de temps, monsieur Wilks.

Mme Fry a droit à une autre intervention. Elle pourra poser elle-même la question et disposer de plus de temps, si elle veut.

Je devrai, à contre-cœur, vous interrompre dans une trentaine de secondes.

Monsieur Wilks, vous êtes très généreux. En avez-vous terminé avec votre question?

**M. David Wilks:** Oui.

**La présidente:** Vous avez fait du beau travail.

Je ne voulais tout simplement pas vous interrompre parce c'est impossible de répondre en si peu de temps.

Nous passons maintenant aux interventions d'une durée de cinq minutes et nous commençons par Mme Sellah.

Madame Fry, vous pouvez vous préparer.

[Français]

**Mme Djaouida Sellah (Saint-Bruno—Saint-Hubert, NPD):** Merci, madame la présidente.

Je remercie nos invités de leur présence parmi nous.

Comme il est mentionné sur le site d'Orphanet: « Aucune maladie n'est trop rare pour ne pas mériter une attention ».

Docteure Wong-Rieger, on sait que 80 % de ces maladies orphelines sont liées à des facteurs génétiques. Vous avez aussi dit que le Canada est un chef de file pour la recherche relative au génome mais, malheureusement, il n'a pas su utiliser cette technologie pour un programme de prévention ou de traitement.

Pourquoi le Canada a-t-il traîné de la patte dans ce domaine? Pourtant, on a des cerveaux et des chercheurs de grande renommée sur le plan international. Comme vous l'avez mentionné, on parle de presque 10 ans de retard comparativement aux États-Unis et à l'Europe. Malheureusement, maintenant, le Canada doit apprendre de cet Orphanet d'Europe et des États-Unis.

• (1620)

[Traduction]

**La présidente:** Allez-y.

**M. David Lee:** Merci, madame la présidente.

Je vais répondre que nous faisons de notre mieux pour rattraper le temps perdu. Je ne suis pas sûr que...

**La présidente:** Je voulais dire Mme Wong. J'aurais dû dire Mme Wong-Rieger. Je suis désolée.

**M. David Lee:** Désolé, madame la présidente.

**La présidente:** Je sais qu'elle est à l'autre bout.

Madame Wong-Rieger, je pense que la question s'adressait à vous, non?

D'accord. Allez-y.

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Oui. Merci.

Permettez-moi de vous donner un exemple qui pourrait m'aider à répondre. Nous avons un médicament très important qui a été découvert par un médecin à l'Université de Montréal, et qui sert au traitement d'une maladie osseuse très rare. Lorsque le médicament a été prêt pour les essais cliniques, l'entreprise est allée mener ces essais aux États-Unis, même si nous avions le premier site clinique au Canada. À l'époque, nous n'avions pas de désignation pour les médicaments orphelins, et nous n'avions pas de cadre réglementaire qui aurait pu fournir le soutien nécessaire et créer le climat approprié. C'est pourquoi le cadre réglementaire est si important.

Le médicament est maintenant à la fin de la phase 2 des essais cliniques. L'un des sites principaux se trouve au Canada. Mais honnêtement, ce sont les États-Unis qui profitent des avantages de ces activités de recherche et développement. C'est l'une des raisons pour lesquelles nous avons tellement insisté pour préparer ce médicament orphelin pour un [Note de la rédaction: inaudible] au Canada, et qu'on fournisse les appuis nécessaires, y compris le soutien à la conception des essais, les contributions essentielles à ces essais ainsi que certaines mesures favorisant la recherche, y compris aux États-Unis, et certaines mesures de soutien comme les remboursements accordés aux essais cliniques et l'exclusivité de marché à l'avenir. Nous n'avons pas créé un environnement qui offrait tout cela, et c'est très malheureux. Mais n'oubliez pas qu'en 1996, Santé Canada a déclaré que nous n'en avions pas besoin, que les médicaments étaient mis au point ailleurs et que le Canada pouvait vivre des activités de recherche et développement menées par d'autres pays. Honnêtement, nous avons maintenant 13 ans de retard sur ces [Note de la rédaction: inaudible]. Mais nous sommes très heureux. Je crois que ce que nous allons obtenir est très bien aussi, c'est-à-dire que nous allons nous hisser à la tête du peloton.

[Français]

**Mme Djaouida Sellah:** Madame la présidente, combien de temps me reste-t-il?

[Traduction]

**La présidente:** Il vous reste environ une minute.

[Français]

**Mme Djaouida Sellah:** Merci.

Je vous remercie de ces précisions, docteure Wong-Rieger.

Si je comprends bien, vous demandez au gouvernement de faire preuve de leadership pour, éventuellement, établir un cadre réglementaire pour que les Canadiens profitent au moins des fruits des recherches de nos chercheurs canadiens.

[Traduction]

**Mme Durhane Wong-Rieger:** C'est exactement cela. Comme vous l'avez correctement énoncé, nous avons la capacité intellectuelle nécessaire ici, mais il s'agit seulement d'un exemple. Nous voyons constamment des entreprises quitter le Canada pour les États-Unis et la Suisse. Nous n'avons pas vraiment mis l'accent sur la capacité de lancer ces médicaments sur le marché.

[Français]

**Mme Djaouida Sellah:** Merci beaucoup.

[Traduction]

**La présidente:** Merci beaucoup.

La parole est maintenant à M. Lizon.

**M. Wladyslaw Lizon (Mississauga-Est—Cooksville, PCC):** Merci, madame la présidente.

J'aimerais remercier les témoins de comparaître devant le comité.

Monsieur Lee, j'ai une question très simple. Évidemment, je ne connais pas très bien tous les éléments liés aux maladies rares. Quelles sont les statistiques pour le Canada? Pouvez-vous me donner des exemples de maladies rares et le nombre de gens qui sont touchés? Vous pouvez, par exemple, me donner le nombre de personnes par mille habitants ou me fournir des nombres bruts.

Où en sommes-nous? Quelles sont les proportions?

• (1625)

**M. David Lee:** Madame la présidente, j'aimerais transmettre la question à ma collègue, Mme Wong-Rieger.

Toutefois, j'aimerais préciser que c'est difficile à mesurer. Les résultats ne seront pas exacts, car il est parfois très difficile de diagnostiquer certaines de ces maladies. Nous n'avons peut-être pas recensé chaque personne qui souffre de cette maladie au pays. Toutefois, nous estimons qu'il y a un peu moins de 7 000 maladies qui ont été recensées à l'échelle internationale. Combien de Canadiens sont touchés? Encore une fois, il ne s'agit pas d'un dénombrement précis, mais nous estimons, comme je l'ai mentionné dans mon exposé, qu'un Canadien sur 10 souffre d'une maladie rare.

Mme Wong-Rieger a peut-être des statistiques plus précises à cet égard.

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Ce n'est pas seulement une question de statistiques. Vous avez absolument raison; nous extrapolerions les données internationales au Canada, ce qui signifie que 28 millions de Canadiens pourraient être touchés.

Il est très important de mettre sur pied un cadre réglementaire et de mettre l'accent sur les activités de recherche et développement, car il y a, au Canada — et je pense que Mme Fry l'a mentionné —, des îlots ethniques et des îlots isolés sur le plan géographique. Nous sommes donc l'hôte de certaines maladies rares qui sont plus répandues ou mieux recensées au Canada. Donc, à moins que nous effectuions les recherches nécessaires sur les traitements de ces maladies, ils ne seront pas mis au point ailleurs, et nous avons une excellente occasion de mener les recherches ici.

La maladie osseuse dont je parlais est répandue parmi les communautés amish. Une petite communauté à l'extérieur de Winnipeg est d'ailleurs le site de nos essais cliniques. Il ne s'agit donc pas seulement de recueillir des chiffres, mais aussi de se rendre compte qu'un grand nombre de ces maladies seront plus répandues en raison de l'isolement géographique. Au Canada, nous avons certaines maladies uniques et rares ou nous avons un grand nombre de personnes qui en souffrent, en raison de la migration ethnique. Il s'agit donc d'une excellente occasion de cesser de nous concentrer seulement sur les nombres et de nous pencher sur certaines de ces maladies qui sont surreprésentées ou facilement détectées au Canada.

**M. Wladyslaw Lizon:** J'ai posé cette question parce que j'avais un ami qui souffrait d'une forme de cancer très rare — il est malheureusement décédé — et si je me souviens bien, il y avait seulement trois endroits dans le monde où il pouvait recevoir des traitements: aux États-Unis, en Suède, et à Rome, en Italie.

Monsieur Lee, pourriez-vous nous donner quelques exemples de nouvelles inventions de la médecine qui peuvent être adoptées pour traiter d'autres maladies rares, ou ces traitements doivent-ils être mis au point pour une seule condition médicale à la fois?

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Je crois que dans la communauté des maladies rares, il y a certainement des liens très étroits à l'échelle internationale. Comme vous l'avez dit, même si seulement trois sites dans le monde offrent un traitement pour une maladie en particulier, un grand nombre des cliniciens se connaîtront entre eux. Étant donné que nous faisons aussi partie d'Orphanet, et que nous faisons donc partie de ces communautés internationales, nous inscrivons nos sites cliniques et nos spécialistes, et nous avons accès aux autres. Comme David l'a dit, nous avons des maladies qui touchent seulement une douzaine de personnes au Canada, mais ces personnes peuvent être suivies et appuyées par les sites internationaux...

**La présidente:** Je suis désolée, madame Wong-Rieger, mais la connexion a été interrompue, et je ne sais pas si nous pourrions la rétablir.

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Pouvez-vous m'entendre?

**La présidente:** Nous vous entendons maintenant. Veuillez continuer.

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Comme je le disais, en raison des liens à l'échelle internationale, il arrive souvent que même s'il existe seulement trois sites dans le monde, nos patients peuvent être suivis et obtenir des consultations par l'entremise des sites internationaux. Par exemple, à l'Hôpital pour les enfants malades de Toronto, on offre aussi des consultations aux patients qui sont dans d'autres pays. Il est donc très important que nous fassions partie de cette grande communauté internationale.

**La présidente:** C'est extraordinaire. Merci beaucoup de cette réponse.

La parole est maintenant à M. Morin.

[Français]

**M. Dany Morin (Chicoutimi—Le Fjord, NPD):** Merci beaucoup, madame la présidente.

Normalement, lorsque je prends la parole lors des réunions du Comité permanent de la santé, je m'attarde à des questions qui ont une portée nationale. Cependant, étant donné qu'on parle de maladies rares, il est opportun de parler également de cas individuels.

Dans la municipalité de Sainte-Rose-du-Nord, qui est dans ma circonscription, il y avait un petit garçon qui s'appelait Miro Angers-

Laurin et qui souffrait d'une maladie rare, soit le gliome infiltrant du tronc cérébral. Au Québec, seulement un ou deux cas par année sont décelés.

Lorsque le diagnostic a été posé, l'enfant n'avait plus que 9 mois à vivre. Dans le cas de Miro, sa famille, que je connais très bien, a décidé de passer ces 9 mois à exaucer tous ses vœux. C'était un bon geste, mais, pendant ce temps, ils ont décliné de permettre les essais thérapeutiques qui avaient été proposés puisqu'ils ne sont pas très concluants.

Par la suite, ils ont fondé la fondation MIRO. Celle-ci est d'avis qu'il serait important qu'on crée et qu'on mette en place un registre international pour mieux connaître cette tumeur et encourager la recherche puisqu'il n'y a pas beaucoup de cas au Canada et dans le monde.

On peut faire aussi le parallèle avec d'autres maladies rares. Santé Canada serait-il prêt à soutenir ce genre d'initiative et de collaboration? La Dre Wong-Rieger mentionnait qu'il était important que le Canada soit un leader en matière de maladies rares. Le gouvernement ferait preuve de leadership s'il travaillait avec nos autres collègues internationaux là-dessus.

Quelle est votre opinion en tant que représentant de Santé Canada?

• (1630)

[Traduction]

**M. David Lee:** Merci.

Madame la présidente, à Santé Canada, nous appuyons fortement l'idée de participer aux registres internationaux. Il s'agit d'un élément de première importance dans le domaine des maladies rares.

La façon d'entrer des renseignements très importants dans un registre est une question fondamentale, et c'est pourquoi la coordination à l'échelle internationale est extrêmement importante. Il est donc essentiel que les organismes de réglementation discutent de la façon d'étudier des médicaments qui sont autrement très difficiles ou impossibles à étudier, et que nous soyons très clairs au sujet des exigences.

Un nouveau consortium international a été mis sur pied. Le président, Paul Lasko, des IRSC, est Canadien, et je crois que nous pouvons en être très fiers. Ce consortium coordonne les recherches de ce type, c'est-à-dire des recherches très pointues, et c'est pourquoi nous devons relier ces pays. Plus de 30 pays font partie de ce consortium. Sa raison d'être est de concentrer la recherche et d'éviter les redondances. Il s'ensuit qu'intégrer des registres dans l'étude des maladies et des médicaments appropriés et d'essayer d'en apprendre le plus possible est un volet très important de la réglementation.

**M. Dany Morin:** Merci.

J'aimerais connaître l'avis de Mme Wong-Rieger sur cette initiative.

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Nous l'appuyons fortement. L'Organisation européenne pour les maladies rares, l'Organisation nationale pour les maladies rares des États-Unis, et l'Organisation pour les maladies rares du Canada ont signé un protocole d'entente commun pour affirmer que nous appuyons les registres internationaux, et comme David l'a mentionné, ils doivent avoir des éléments communs.

J'aimerais aussi mentionner que les NIH, c'est-à-dire les National Institutes of Health aux États-Unis, viennent tout juste d'aider à lancer un vaste site Web de registres génétiques appelé Registries for All. Il servira exactement à cela, c'est-à-dire qu'il offre une plateforme commune sur laquelle on peut inscrire des maladies génétiques individuelles. Les patients peuvent y avoir accès. Nous encourageons vivement tous les pays à se rendre sur une plateforme commune, afin que les données puissent être partagées. La vie privée des patients peut être protégée. Comme le dit David, nous appuyons fortement cette initiative, et nous sommes aussi très fiers que le Canada soit, encore une fois, l'un des partenaires principaux dans le lancement de ce type d'initiatives.

[Français]

**M. Dany Morin:** Merci beaucoup.

[Traduction]

**La présidente:** Merci beaucoup, monsieur Morin.

J'aimerais remercier les deux témoins de leurs réponses très éclairées. Il s'agit d'un sujet très inhabituel à certains égards, et vos réponses sont très utiles.

Monsieur Daniel, vous êtes le suivant sur la liste.

**M. Joe Daniel (Don Valley-Est, PCC):** Merci, madame la présidente.

J'aimerais remercier les témoins d'être ici.

Lorsque nous entendons parler de tous ces processus qui ont été lancés et du cadre de travail que vous mettez sur pied, il semble que la plupart des mesures correctives soient à la fin du processus. Il faut d'abord découvrir une maladie, et ensuite on réagit pour tenter de mettre au point un médicament pour la combattre.

Étant donné que ce sont des gènes défectueux qui sont responsables des maladies rares, y a-t-il des innovations technologiques en cours — par exemple, au Canada, on met au point un appareil appelé GeneXpert — qui permettent de prévoir certaines de ces choses avant qu'elles se produisent?

Intégrez-vous ce type d'innovation technologique au processus d'élaboration du cadre de travail?

• (1635)

**M. David Lee:** Merci, madame la présidente.

Les technologies de prévision sont une innovation très importante dans ce domaine. Certaines d'entre elles seront visées par un règlement en tant qu'appareil médical, mais certaines d'entre elles servent aux recherches menées à l'hôpital. Il est très important de faire des recherches pour prévoir lorsqu'une maladie fera son apparition ou pour savoir à quoi ressembleront ses symptômes ou son histoire naturelle; ce sont des travaux de recherche de pointe. Si nous intégrons cela au cycle réglementaire, je crois que nous devons faire attention à deux choses. Tout d'abord, à la façon dont ces travaux s'intègrent aux traitements actuels, et deuxièmement, au degré de validité et de certitude offert par ces nouvelles technologies, car des prévisions erronées pourraient faire en sorte qu'une personne ne reçoive pas le traitement nécessaire ou qu'elle reçoive un traitement non approprié.

Il s'agit d'un problème qu'un grand nombre d'organismes de réglementation de partout dans le monde tentent de résoudre. De nombreuses découvertes très importantes sont effectuées, mais encore une fois, il faut se pencher sur la façon de les intégrer à la réglementation. Nous voulons également veiller à ne pas surcharger ces innovations d'exigences, ce qui les rendrait moins souples. Il est donc important de discuter de la façon dont nous validerons ce type

de modèle de prévision dans le cycle réglementaire. Il faut adopter une approche très pratique. Nous avons de plus en plus de discussions, surtout dans le domaine de l'oncologie, c'est-à-dire le domaine des cancers. On progresse beaucoup dans l'identification de types de cancers inconnus jusqu'ici.

Il est donc très important de savoir comment gérer tout cela — nous discutons avec un grand nombre de nos spécialistes en recherche et d'autres pour mettre au point des technologies qui détectent ce type de variations génétiques — et de comprendre comment intégrer tous ces éléments.

Nous invitons aussi nos homologues internationaux en matière de réglementation. On mène également beaucoup de travaux à ce sujet aux États-Unis.

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Puis-je ajouter deux ou trois choses à ce que David vient de dire? C'est très important.

Tout d'abord, il ne s'agit pas seulement de chercher des nouvelles technologies. Il y a un domaine dans lequel le Canada devrait avoir honte: nous n'avons pas de programme de dépistage universel pour les nouveau-nés. De plus en plus de pays adoptent cette pratique. Nous pourrions dépister, à la naissance, un nombre beaucoup plus élevé de ces maladies génétiques. Un grand nombre de ces maladies peuvent être traitées à la naissance, ce qui les empêche de se propager, ou on peut au moins informer la famille avant qu'elle ait un autre enfant porteur de la maladie.

Pourtant, il n'y a pas de programme universel. Certaines provinces font du bon travail à cet égard, et peuvent dépister plus de 30 maladies; d'autres provinces, par contre, ne peuvent pas en dépister plus que quatre.

Deuxièmement, étant donné que nous n'avons pas de stratégie nationale à cet égard, chaque province fait ce que bon lui semble. Cela a deux effets dangereux. Tout d'abord, il faut un nombre minimal pour être en mesure d'identifier ces maladies, et même pour savoir ce qu'il faut faire avec le test. Bien honnêtement, nous gaspillons de l'argent lorsque chaque province se débrouille seule. Nous n'avons pas besoin d'un si grand nombre de sites de dépistage pour les nouveau-nés au Canada. Nous pourrions faire un meilleur travail et mieux utiliser nos ressources tout en étant plus efficaces.

Nous investissons aussi dans un autre domaine — et je crois que David le sait. Il s'agit des excellentes recherches dans le domaine du séquençage génomique. On prévoit que dans quelques années, elles auront des applications très pratiques. Par exemple, un seul test permet d'identifier une série de maladies rares. Nous sommes à l'avant-garde de ces recherches. Nos défis se résumeront à la façon de les utiliser, de les appliquer et de les rendre disponibles.

Je crois donc que d'un côté, nous devrions avoir honte de notre performance, mais que de l'autre, nous menons des recherches de pointe.

**La présidente:** Merci beaucoup.

**M. Joe Daniel:** Me reste-t-il du temps?

**La présidente:** Il vous reste environ 20 secondes.

**M. Joe Daniel:** D'accord. C'est bien.

**La présidente:** Merci, monsieur Daniel. Et bienvenue au comité.

Nous allons maintenant entendre M. Kellway.

**M. Matthew Kellway (Beaches—East York, NPD):** Merci, madame la présidente.

J'aimerais remercier nos témoins d'être ici aujourd'hui.

J'ai été frappé par plusieurs choses que j'ai entendues aujourd'hui. Tout d'abord, il me semble que l'incidence totale des maladies rares est très élevée.

Je crois que vous avez parlé d'une personne sur 10, monsieur Lee, ou qu'il s'agit d'une personne sur douze, selon votre document; c'est à peu près la même chose.

L'autre chose, c'est la facilité avec laquelle on reconnaît que la coopération et la collaboration à l'échelle internationale sont tellement logiques, et qu'elle est naturellement l'étape suivante, en raison des petits regroupements, etc.

Je crois, monsieur Lee, que vous avez dit que les maladies rares suscitaient une grande coopération à l'échelle internationale.

Malgré tout cela, à ce jour, nous semblons avoir résisté à cette attraction naturelle envers la coopération internationale, car nous venons d'établir — si j'ai bien compris — ou de proposer un cadre de travail qui selon vous, monsieur Lee, créera un espace dans lequel la recherche et l'innovation canadiennes pourront prospérer.

Pour être honnête, je suis un peu stupéfait d'apprendre où nous en sommes à cet égard. Nous avons résisté à l'attraction naturelle envers la coopération internationale pour être en mesure de participer à cela et d'aider les 10 p. 100 de Canadiens qui souffrent de maladies rares; nous avons en quelque sorte décidé de ne pas profiter de cette occasion, et nous en sommes là aujourd'hui.

Madame Wong-Rieger, j'aimerais vous poser une question au sujet des recherches sur le génome que vous avez mentionnées à la fin de votre dernier commentaire. Maintenant que nous semblons être sur le point de permettre à la recherche et à l'innovation de prospérer au Canada grâce à ce cadre de travail — si c'est bien le cas —, comment faisons-nous le lien entre les recherches sur le génome et les maladies rares? Y a-t-il un élément dans la stratégie nationale que vous proposez qui accomplit précisément cela?

• (1640)

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Tout est lié. Les maladies génétiques ne sont pas toutes des maladies rares; toutefois, environ 80 p. 100 des maladies rares sont des maladies génétiques.

En toute honnêteté, l'une des choses les plus difficiles à faire, c'est diagnostiquer une maladie. Comme nous le disons souvent aux familles, si une maladie n'est pas diagnostiquée, ce n'est pas parce qu'elle ne peut pas l'être, mais tout simplement parce que nous n'avons pas été en mesure de le faire.

Avoir des moyens nous permettant de diagnostiquer une maladie, et avec exactitude, peut mener à l'adoption d'une foule de mesures préventives ou, du moins, de mesures d'aide. C'est la première étape.

Nous avons besoin des centres nationaux de référence vers lesquels nous pouvons diriger nos patients pour qu'ils obtiennent de l'aide et des renseignements de façon continue. C'est donc le premier pas à franchir. Cependant, vous avez tout à fait raison: si nous ne faisons que diagnostiquer la maladie et que nous n'accomplissons pas le reste du travail essentiel, un grand nombre de familles pourraient se retrouver dans une situation bien pire.

Cela fait donc partie intégrante d'une stratégie d'ensemble, mais comme nous l'avons déjà dit, nous savons qu'il faut que ce soit fait à l'échelle nationale. Nous ne devrions pas demander à chaque province de le faire. Ce n'est pas logique.

Je répète que nous aimerions vraiment en discuter. L'étape qui suit l'élaboration d'un cadre réglementaire pour les médicaments

orphelins consiste à discuter d'une stratégie nationale, et je pense que c'est une stratégie de santé publique.

**M. Matthew Kellway:** C'est l'occasion qui s'offre à vous, en fait. Je suis certain qu'il y en aura d'autres, mais j'aimerais vous donner la possibilité de profiter de celle-là et de nous expliquer peut-être un peu plus à quoi les centres d'excellence et leurs activités pourraient ressembler. À quoi ressemblent-ils sur le plan institutionnel? Où sont-ils situés? Où les construisons-nous? Qui y participe?

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Il en existe déjà quelques-uns. Nous ne commençons donc pas à partir de rien. Par exemple, SickKids a un très bon centre d'excellence sur les maladies cardiovasculaires et les maladies rares chez les enfants. Il y a un centre pour les vascularites. En fait, tous les projets de recherche qui viennent d'être financés par les IRSC pour les nouvelles équipes sur les maladies rares comportent un centre d'excellence. Évidemment, ces centres doivent inclure plus qu'une maladie. Il faut donc regrouper des maladies. On peut les définir en fonction des causes ou de l'ensemble des organes atteints, bien que dans bien des cas, il s'agit de maladies multisystémiques. Il en existe donc déjà.

En fait, nous aimerions vraiment qu'il y ait une consultation nationale à ce sujet réunissant les cliniciens, les chercheurs et les patients. L'Union européenne a constitué un cadre visant à tenir des consultations à ce sujet. À vrai dire, nous voulons tout d'abord établir le cadre réglementaire pour les médicaments orphelins, mais nous aimerions vraiment appliquer ce modèle au Canada, de sorte que nous ne réinventons pas la roue, même sur la façon de procéder.

**La présidente:** Merci, madame Wong-Rieger. Je vous remercie de ces observations pertinentes.

Je cède maintenant la parole à la Dre Fry.

**L'hon. Hedy Fry:** Merci beaucoup.

Mme Wong-Rieger a répondu à ma question sur la diversité. C'est important, car je pense que le Canada a un énorme rôle à jouer quant à la recherche transnationale. Nous avons un administrateur public principal qui nous fournit toutes les données. Il est donc facile de les communiquer, contrairement à ce qui se passe aux États-Unis, dont la diversité est comparable, mais où l'on doit faire affaire avec 3 000 compagnies d'assurance privées, disons, ce qui rend la situation très difficile.

C'est mon opinion. Je ne sais pas si sous examiniez cette question pour votre cadre, la façon dont le Canada joue ce genre de rôle, pour ce qui est d'examiner la diversité ethnique et raciale, et la façon dont nous pouvons favoriser la recherche transnationale à cet égard dans le cadre international.

M. Carrie a posé la question, et nous devons apprendre de l'expérience des autres à cet égard. Je pense que nous le faisons bien d'habitude. Ma question est la suivante: comment créer quelque chose pour tous les Canadiens malgré les secteurs de compétence? Si l'Union européenne, comme je l'ai dit dans ma question, peut établir un cadre pour un grand nombre d'États-nations autonomes, pourquoi le Canada ne pourrait-il pas en tirer des leçons? Qu'est-ce que le Canada peut apprendre des Européens? Essayons-nous de tirer quelque chose du modèle européen?

Est-ce que quelqu'un veut répondre à la question?

• (1645)

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Comme vous le dites, je ne crois pas que quiconque dirait que les 27 États membres de l'Union européenne travaillent tous de concert. Il y a quelque chose de très important — et les patients atteints d'une maladie rare comptent beaucoup là-dessus —, et c'est la directive transfrontalière selon laquelle si les patients ne peuvent pas obtenir les soins dont ils ont besoin dans leur pays, ils peuvent les obtenir dans un autre pays. Nous nous disons « mon Dieu, on ne peut même pas bien le faire dans les provinces au Canada ». C'est la première leçon que nous pourrions en tirer: la façon d'aider les patients qui habitent dans une province à avoir accès plus facilement au seul centre d'excellence, qui se trouve dans une autre province.

À vrai dire, comme vous pouvez l'imaginer, s'il y avait une stratégie nationale, les provinces s'attendraient à ce qu'elle aille de pair avec des mesures incitatives. Je déteste toujours parler de la grande question, c'est-à-dire le financement, mais je pense qu'il nous faudrait avoir une idée de la façon de procéder. Comme les IRSC l'ont fait, nous devrions avoir un financement comparable à celui de Génome Canada. Orphanet est financé à partir d'un budget national. Je pense qu'on devrait parler de la façon d'obtenir le financement, de sorte que la gestion soit centralisée et pour assurer, en fait, une participation équitable, et que ce ne soit pas basé uniquement sur la population et la capacité de payer. Nous savons qu'une partie de l'argent investi pour ces maladies ne va pas nécessairement dans les villes ou les provinces les plus peuplées.

**L'hon. Hedy Fry:** Ce que vous dites est pertinent. Nous avons toujours tendance à regarder du côté des principaux centres d'excellence dans les villes et des centres de soins tertiaires liés à

des universités, et dans certains cas, nous devons peut-être également penser à des centres d'excellence dans les régions rurales. Je ne sais pas si c'est quelque chose que vous envisagez, monsieur Lee, de sorte que nous ne tenions pas seulement compte des centres d'excellence, surtout dans le cas des maladies rares, dans les universités ou...

**Mme Durhane Wong-Rieger:** En fait, bon nombre d'entre eux sont des centres virtuels. Par exemple, si je prends l'exemple du centre d'hématologie et de maladies du sang rares, même s'il s'agit d'un seul centre en Espagne, c'est en fait un centre virtuel. Dans ce cas, la collaboration s'étend partout en Europe. Il n'y a donc pas un établissement traditionnel spécialisé. Il y a différents endroits spéciaux. Les essais, les diagnostics et les travaux de recherche se font dans différents lieux, mais on collabore de façon virtuelle. Il est donc très possible d'avoir des établissements en milieu rural.

**La présidente:** Notre temps est pratiquement écoulé.

Je veux seulement remercier nos deux invités.

Madame Wong-Rieger, toutes vos observations ont été vraiment très utiles, tout comme celles de M. Lee. C'est une question très importante, car elle concerne un tout petit nombre de gens. Le comité voulait donc obtenir votre point de vue.

Votre idée au sujet de l'innovation et celle de faire les choses de façon virtuelle partout au pays... Nous vivons à l'époque de l'Internet, etc., qui peut nous aider en ce sens.

Je vous remercie donc énormément.

**Mme Durhane Wong-Rieger:** Merci beaucoup.

**La présidente:** La séance est levée.

---







Publié en conformité de l'autorité  
du Président de la Chambre des communes

---

### PERMISSION DU PRÉSIDENT

---

Il est permis de reproduire les délibérations de la Chambre et de ses comités, en tout ou en partie, sur n'importe quel support, pourvu que la reproduction soit exacte et qu'elle ne soit pas présentée comme version officielle. Il n'est toutefois pas permis de reproduire, de distribuer ou d'utiliser les délibérations à des fins commerciales visant la réalisation d'un profit financier. Toute reproduction ou utilisation non permise ou non formellement autorisée peut être considérée comme une violation du droit d'auteur aux termes de la *Loi sur le droit d'auteur*. Une autorisation formelle peut être obtenue sur présentation d'une demande écrite au Bureau du Président de la Chambre.

La reproduction conforme à la présente permission ne constitue pas une publication sous l'autorité de la Chambre. Le privilège absolu qui s'applique aux délibérations de la Chambre ne s'étend pas aux reproductions permises. Lorsqu'une reproduction comprend des mémoires présentés à un comité de la Chambre, il peut être nécessaire d'obtenir de leurs auteurs l'autorisation de les reproduire, conformément à la *Loi sur le droit d'auteur*.

La présente permission ne porte pas atteinte aux privilèges, pouvoirs, immunités et droits de la Chambre et de ses comités. Il est entendu que cette permission ne touche pas l'interdiction de contester ou de mettre en cause les délibérations de la Chambre devant les tribunaux ou autrement. La Chambre conserve le droit et le privilège de déclarer l'utilisateur coupable d'outrage au Parlement lorsque la reproduction ou l'utilisation n'est pas conforme à la présente permission.

---

Aussi disponible sur le site Web du Parlement du Canada à l'adresse suivante : <http://www.parl.gc.ca>

Published under the authority of the Speaker of  
the House of Commons

---

### SPEAKER'S PERMISSION

---

Reproduction of the proceedings of the House of Commons and its Committees, in whole or in part and in any medium, is hereby permitted provided that the reproduction is accurate and is not presented as official. This permission does not extend to reproduction, distribution or use for commercial purpose of financial gain. Reproduction or use outside this permission or without authorization may be treated as copyright infringement in accordance with the *Copyright Act*. Authorization may be obtained on written application to the Office of the Speaker of the House of Commons.

Reproduction in accordance with this permission does not constitute publication under the authority of the House of Commons. The absolute privilege that applies to the proceedings of the House of Commons does not extend to these permitted reproductions. Where a reproduction includes briefs to a Committee of the House of Commons, authorization for reproduction may be required from the authors in accordance with the *Copyright Act*.

Nothing in this permission abrogates or derogates from the privileges, powers, immunities and rights of the House of Commons and its Committees. For greater certainty, this permission does not affect the prohibition against impeaching or questioning the proceedings of the House of Commons in courts or otherwise. The House of Commons retains the right and privilege to find users in contempt of Parliament if a reproduction or use is not in accordance with this permission.

---

Also available on the Parliament of Canada Web Site at the following address: <http://www.parl.gc.ca>